



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

31 ianuarie 2025
EMA/33759/2025
EMA/H/C/006270

Retragerea cererii de autorizație de punere pe piață pentru Nugalviq (*govorestat*)

Advanz Pharma Limited și-a retras cererea de autorizație de punere pe piață pentru Nugalviq, pentru tratamentul galactozemiei clasice, o afecțiune în care organismul nu poate descompune un tip de zahăr numit galactoză.

Compania și-a retras cererea la 10 decembrie 2024.

Ce este Nugalviq și pentru ce ar fi trebuit să se utilizeze?

Nugalviq a fost elaborat ca medicament pentru utilizare la adulți, adolescenți și copii cu vârsta de 2 ani și peste, cu diagnostic confirmat de galactozemie clasică (numită și deficit de galactozo-1-fosfat-uridil-transferază). Medicamentul urma să fie utilizat în asociere cu regim alimentar cu conținut redus de galactoză.

Nugalviq conține substanța activă govorestat și urma să fie disponibil sub formă de suspensie lichidă pentru administrare orală.

Nugalviq a fost desemnat „medicament orfan” (un medicament folosit în bolile rare) la data de 21 iunie 2022 pentru galactozemie. Informații suplimentare privind desemnarea ca medicament orfan sunt disponibile pe site-ul agenției: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3222642.

Cum acționează Nugalviq?

Galactoză este un tip de zahăr prezent în anumite alimente și care este produs și de organism. Persoanele cu galactozemie clasică nu pot descompune în mod adecvat galactoză, ceea ce duce la acumularea ei în organism. Enzima numită aldoză reductază transformă galactoză în exces într-o substanță numită galactitol, care este dăunătoare pentru organism, cauzează probleme de dezvoltare și afectarea anumitor organe. Substanța activă din Nugalviq ar fi trebuit să blocheze activitatea aldozei reductazei, reducând astfel formarea de galactitol. Nugalviq ar fi trebuit să amelioreze simptomele la persoanele cu galactozemie clasică.

Official address Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us

Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



Ce documentație a prezentat compania în sprijinul cererii sale?

Studiul principal prezentat de companie conținea date obținute de la 47 de copii cu vârsta de cel puțin 2 ani, cu galactozemie clasică. Studiul a comparat Nugalviq cu placebo (un preparat inactiv). Principala măsură a eficacității a fost evaluarea combinată a modificării abilităților de vorbire și de limbaj, a comportamentului și a capacității de a desfășura activități zilnice. În plus, compania a prezentat date de susținere provenite dintr-un studiu la care au participat 33 de adulți și care a măsurat modificarea concentrațiilor de galactitol, precum și date privind monitorizarea pe termen lung a 7 adulți.

În ce stadiu se afla evaluarea în momentul retragerii cererii?

Cererea a fost retrasă după ce Agenția Europeană pentru Medicamente evaluase informațiile inițiale prezentate de companie și formulase întrebări pentru aceasta. În momentul retragerii cererii, agenția evalua răspunsurile companiei la întrebări.

Care a fost recomandarea agenției în momentul respectiv?

Pe baza analizării datelor și a răspunsului companiei la întrebările agenției, în momentul retragerii cererii, agenția avea unele motive de îngrijorare și a dat un aviz provizoriu potrivit căruia Nugalviq nu putea fi autorizat pentru tratamentul galactozemiei clasice.

Agenția a exprimat o serie de preocupări cu privire la rezultatele studiului principal, precum și cu privire la modul în care a fost realizat studiul și în care au fost culese și prelucrate datele. Agenția a considerat, de asemenea, că studiul poate fi privit doar ca unul de explorare, din cauza modificărilor tardive în conceperea sa. De asemenea, nu existau suficiente informații privind modul în care medicamentul acționează în organism și efectele eventuale ale alimentelor asupra medicamentului și nici riscul potențial de cancer nu a fost abordat în mod adecvat. În plus, au existat întrebări cu privire la dozajul propus și la calitatea medicamentului în sine.

Întrucât compania dorea să obțină o autorizație de punere pe piață condiționată, agenția a remarcat că nu au fost îndeplinite cerințele pentru o astfel de autorizație.

Prin urmare, la momentul retragerii cererii, în opinia agenției rezultatele studiului nu erau sigure și s-a concluzionat că medicamentul nu putea fi autorizat pe baza datelor prezentate.

Care au fost motivele invocate de companie pentru retragerea cererii?

În [scrisoarea](#) prin care compania înștiințează agenția cu privire la retragerea cererii, compania a declarat că are nevoie de mai mult timp pentru a culege date suplimentare care să susțină evaluarea Nugalviq în indicația propusă.

Retragerea acestei cereri afectează pacienții din studii clinice sau din programe de uz compasional?

Compania a informat agenția că nu există consecințe pentru pacienții aflați în studii clinice sau în programe de uz compasional cu govorestat.

Dacă participați la un studiu clinic sau program de uz compasional și aveți nevoie de informații suplimentare despre tratamentul dumneavoastră, adresați-vă medicului din cadrul studiului respectiv.